

EMA/396624/2015
EMA/H/C/000369

Resumo do EPAR destinado ao público

Replagal

agalsidase alfa

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Replagal. O seu objetivo é explicar o modo como o Comité dos Medicamentos para Uso Humano (CHMP) avaliou o medicamento a fim de emitir um parecer favorável à concessão de uma autorização de introdução no mercado, bem como as suas recomendações sobre as condições de utilização do Replagal.

O que é o Replagal?

O Replagal é um medicamento que contém a substância ativa agalsidase alfa. Está disponível na forma de concentrado a ser reconstituído numa solução para perfusão (administração gota a gota numa veia).

Para que é utilizado o Replagal ?

O Replagal é utilizado no tratamento de doentes com a doença de Fabry, uma doença hereditária rara. Os doentes que sofrem da doença de Fabry não produzem a enzima alfa-galactosidase A em quantidade suficiente. Esta enzima é responsável pela destruição da substância gorda denominada globotriaosilceramida (Gb3 ou GL3). Se a enzima não estiver presente, a Gb3 não pode ser degradada e acumula-se nas células do organismo como, por exemplo, nas células dos rins.

As pessoas com doença de Fabry podem apresentar uma vasta gama de sinais e sintomas, incluindo doenças graves como falência renal, problemas cardíacos e acidente vascular cerebral.

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

Como se utiliza o Replagal?

O Replagal só deve ser administrado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doença de Fabry ou outras doenças metabólicas hereditárias.

O Replagal é administrado uma vez de 2 em 2 semanas (semanas alternadas) por perfusão intravenosa à dose de 0,2 mg por quilograma de peso corporal, com a duração de 40 minutos. O medicamento destina-se a uso prolongado.

Como funciona o Replagal?

O Replagal é uma terapêutica de substituição enzimática. A terapêutica de substituição enzimática permite fornecer a enzima que falta ao doente. O Replagal substitui a enzima humana alfa-galactosidase A ausente nos doentes com doença de Fabry. A substância ativa do Replagal, a agalsidade alfa, é uma cópia da enzima humana produzida por um método conhecido como «tecnologia do ADN recombinante», ou seja, é produzida por células que receberam um gene (ADN), que as torna capazes de produzir a enzima. A enzima de substituição ajuda a degradar a Gb3, impedindo esta de se depositar nas células.

Como foi estudado o Replagal?

O Replagal foi comparado com um placebo (tratamento simulado) em dois estudos principais que incluíram um total de 40 doentes do sexo masculino. O primeiro estudo avaliou os efeitos do Replagal sobre a dor, e o segundo avaliou os efeitos sobre a massa do ventrículo esquerdo (músculo cardíaco); a massa ventricular indica a acumulação de Gb3 nas células do coração. Foi igualmente estudado o efeito da administração de doses semanais em vez da administração em semanas alternadas. Foi realizado um estudo adicional em 15 doentes do sexo feminino. O Replagal foi também analisado em estudos adicionais que incluíram 38 crianças a partir dos 7 anos de idade.

Qual o benefício demonstrado pelo Replagal durante os estudos?

Após 6 meses de tratamento, o Replagal reduziu significativamente a dor nos doentes tratados, em comparação com o placebo. O Replagal reduziu a massa do ventrículo esquerdo em 11,5 g, em média, ao passo que os doentes que receberam o placebo registaram um aumento de 21,8 g da massa ventricular esquerda. Os efeitos nos doentes do sexo feminino foram comparáveis aos resultados registados nos doentes do sexo masculino. A dosagem semanal não revelou qualquer vantagem em relação às doses padrão. As crianças tratadas com o Replagal não registaram qualquer aumento inesperado da massa do coração e os níveis de Gb3 no sangue diminuíram.

Qual é o risco associado ao Replagal?

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Replagal (observados em mais de 1 doente em cada 10) são reações causadas pela perfusão. As reações consistem principalmente em calafrios, dores de cabeça, náuseas, pirexia (febre), dor e desconforto, rubor facial e fadiga (cansaço), e raramente são graves. Para a lista completa de todos os efeitos secundários e restrições de utilização relativos ao Replagal, consulte o Folheto Informativo.

Por que foi aprovado o Replagal?

O CHMP concluiu que o tratamento com o Replagal pode trazer benefícios clínicos de longo prazo para os doentes com doença de Fabry. O CHMP concluiu que os benefícios do Replagal são superiores aos seus riscos e recomendou a concessão de uma autorização de introdução no mercado para o medicamento.

O Replagal foi inicialmente autorizado em circunstâncias excecionais. Isto significa que, como se trata de uma doença rara, a informação disponível à data da aprovação era limitada. Dado a empresa ter

fornecido as informações adicionais requeridas, o estatuto de «circunstâncias excepcionais» terminou em 20 de Julho de 2015

Outras informações sobre o Replagal

Em 3 de agosto de 2001, a Comissão Europeia concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, para o medicamento Replagal.

O EPAR completo relativo ao Replagal pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Replagal, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2015.